

ともしび No.1

デュシェンヌ型筋ジストロフィーの遺伝子レベルでの治療として現在注目されているのはエクソンスキッピングというアンチセンス核酸を用いる治療です。これがどういう治療方法かというのは、日本筋ジストロフィー協会のホームページに、一般の方にも分かりやすく解説されていますので、ご覧下さい。

このエクソンスキッピング治療に関して、非常に積極的に開発を進めているサレプタという会社があります (<https://www.sarepta.com/>)。この会社はデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬をいくつも開発中です。たとえば、その一つにエテプリルセン、別名エクソンディス 51、というのがあります (<https://www.sarepta.com/our-product>)。これは米国において、治験の最終段階である第三相試験をすでに終了し迅速審査を受けて、市販されています。ただし、この薬を毎週点滴することによって筋肉内のジストロフィンが増加することは確認されていますが、臨床的に筋肉が強くなるかどうかは、まだ調査中のようです。

2018.6.1